



Kaftrio (elexakaftor/tezakaftor/ivakaftor) vid cystisk fibros

NT-rådets yttrande till regionerna 2022-05-12

Rekommendation och sammanvägd bedömning

NT-rådets rekommendation till regionerna är:

- att avvakta med användning av Kaftrio för behandling av cystisk fibros till dess att Kaftrio ingår i läkemedelsförmånerna.
- att individuella fall av patienter kan komma i fråga för behandling med Kaftrio i kombination med Kalydeco (ivakaftor). Det gäller patienter:
 - som är i behov av lungtransplantation och där ytterligare försämring av tillståndet äventyrar möjligheten till transplantation
eller
 - med FEV1 <35 % ≥2 tillfällen under den senaste 6-månadersperioden.
- att behandling av individuella fall endast sker efter samråd med det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

TLV har 2022-01-27 beslutat att Kaftrio i kombination med Kalydeco inte ska ingå i läkemedelsförmånerna. NT-rådets rekommendation till regionerna är att fortsätta avvakta med behandling med Kaftrio till dess att läkemedlet kan inkluderas i läkemedelsförmånerna.

NT-rådet anser att Kaftrio i kombination med Kalydeco undantagsvis kan användas till patienter som har en mycket hög svårighetsgrad och som riskerar att avlida eller ta stor skada i väntan på ett subventionsbeslut om Kaftrio. För att uppnå en jämlig bedömning ska aktuella patientfall diskuteras i det nationella behandlingsrådet för cystisk fibros.

NT-rådet bedömer att kombinationsbehandling med Kaftrio och Kalydeco har god effekt och skulle vara en värdefull behandling för patienter med cystisk fibros. NT-rådet anser att det är mycket angeläget att företaget snarast ansöker om subvention på nytt.



Om läkemedlet

Kaftrio innehåller en kombination av substanserna tezakaftor, ivakaftor och elexakaftor. Cystisk fibros orsakas av mutationer i genen för proteinet CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator). CFTR-protein är en kloridjonkanal som finns på ytan av epitelceller i flera organ. Den kombinerade effekten av substanserna i Kaftrio innebär ökad mängd samt förbättrad funktion av CFTR vid cellytan, vilket leder till ökad CFTR-aktivitet.

Kaftrio är avsett som en kombinationsregim med Kalydeco (ivakaftor) för behandling av cystisk fibros hos patienter 12 år och äldre som är homozygota för mutationen F508del i CFTR-genen eller heterozygota för F508del i CFTR-genen med en minimal funktionsmutation.

Behandlingen med Kaftrio är avsedd som tillägg till bästa understödjande behandling.

Kaftrio har ATC-kod R07AX32 och blev godkänt för försäljning i Europa 2020-08-21.

Tidpunkt för revision av yttrandet

Denna rekommendation har uppdaterats 2022-05-12 med anledning av att NT-rådet reviderat vilken patientgrupp som kan behandlas i väntan på att Kaftrio kan omfattas av läkemedelsförmånerna.

Referenser

[TLV:s förmånsbeslut för Kaftrio och Kalydeco](#)

NT-rådets behandlingsråd för cystisk fibros

Ricard Nergårdh, ordförande, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Lena Hjelte, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland; Helena Engström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Lindblad, Västra sjukvårdsregionen; Christina Krantz, Sjukvårdsregion Mellansverige; Lennart Hansson, Södra sjukvårdsregionen

Närvarande vid beslut

Gerd Lärfars, ordförande NT-rådet; Maria Palmetun Ekbäck, Sjukvårdsregion Mellansverige; Anna Lindhé, Västra sjukvårdsregionen; Maria Landgren, Södra sjukvårdsregionen; Mårten Lindström, Sydöstra sjukvårdsregionen; Anders Bergström, Norra sjukvårdsregionen, Åsa Derolf, sjukvårdsregion Stockholm-Gotland.

Ingen ledamot deklarerade någon intressekonflikt för det aktuella ärendet.